

2021年6月10日

第4回 再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会

産業界側からみた本領域の研究開発推進策

一般社団法人再生医療イノベーションフォーラム（FIRM）

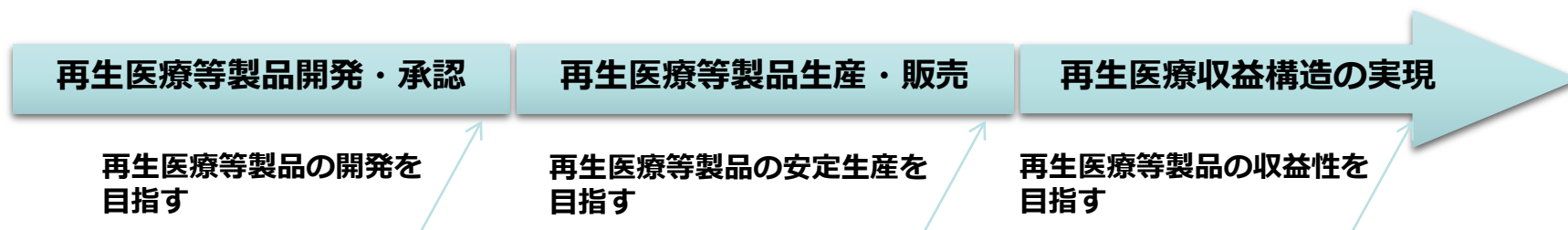
代表理事会長 富 賢一郎

再生医療等製品の特徴

- 既存の**治療概念を大きく変える**可能性がある。
- 効果が**長期にわたり持続する**可能性がある。
- 製品に**多様性**があり、各々製造工程・品質管理が異なる上、対象患者数が限られる場合が多い。
- 製品自体の**シェルフライフ（使用・有効期限）が極端に短く**、出荷から投与されるまでの時間的制約がある。
- 製造における**サプライチェーンが複雑**であり、そこには数多くの知財が含まれることが多い。
- 携わる**医療従事者の能力に大きく影響を受ける**ことや、高度な医療設備を有する医療機関に使用が限定される場合がある。

再生医療産業の目指すべき姿

「再生医療等製品を開発する」から「再生医療等製品を安定的につくる」過程をへて、「再生医療等製品によって利益を上げる」を目指す。



■ 再生医療等製品の開発及び関連エコシステムの活用



■ 再生医療収益構造の実現からのバックキャストिंग



産学官連携を通じた
再生医療リバーストランスレーショナルリサーチ

学の技術シーズを産が製品化・実用化する

出口戦略を見据えた早期の産学連携が必要である。



基礎研究

応用研究

実用化・事業化・産業化

大学・医療機関



企業

製品の作り込み

生産体制・生産コスト
従前技術との相性
部品調達 etc

規制対応

品質試験の信頼性保証
各種申請業務 etc

市場へのアクセス

受注システム
デリバリー管理
使用方法の啓発

各種市販後対応

市販後調査
フォローアップ
クレーム対応

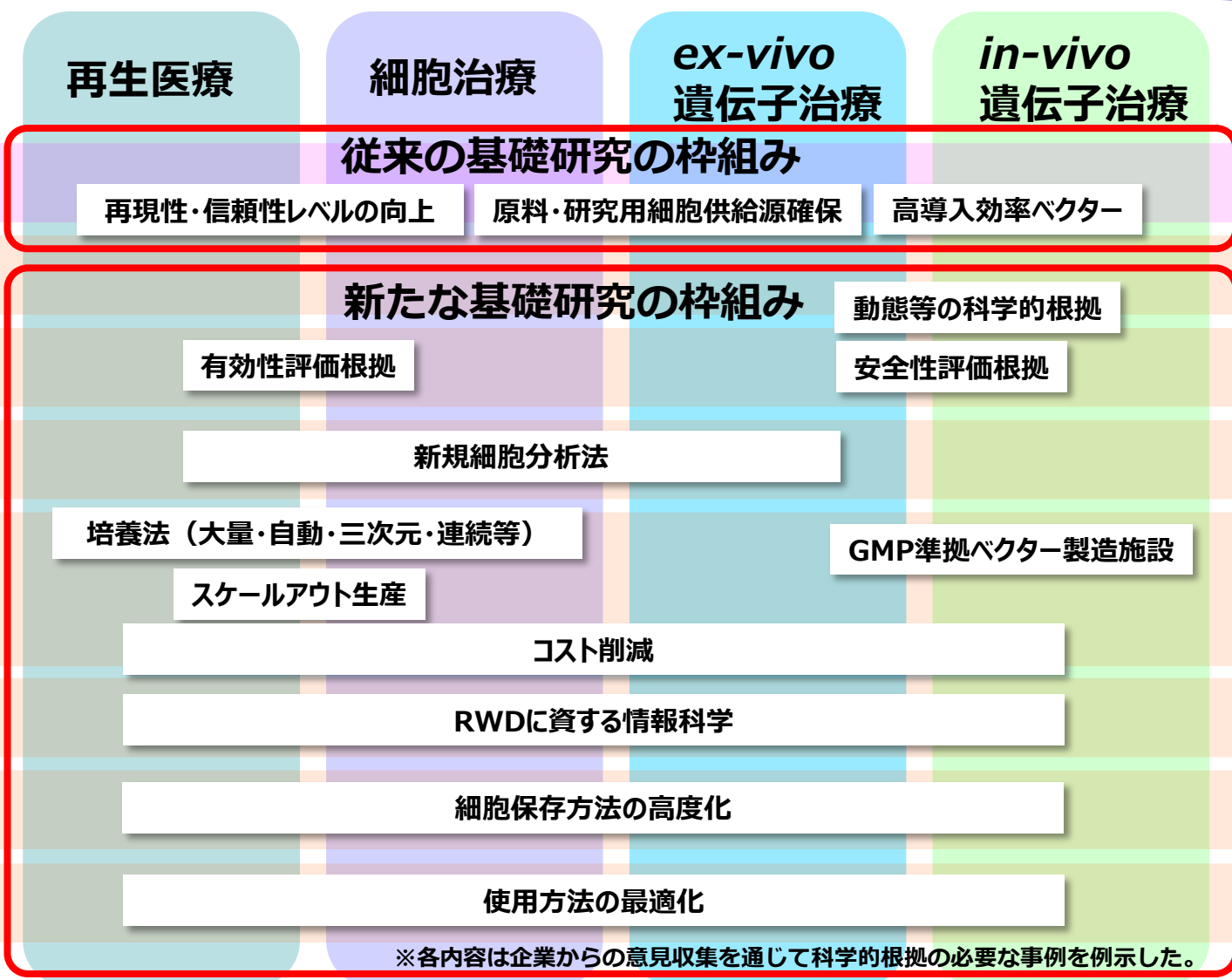
知財戦略等

特許取得
標準化対応
海外戦略

国内で承認された再生医療等製品の開発状況

製品	対象疾患	承認	申請～承認	保険償還価格	特記事項
ジェイス®	重症熱傷	2007	3y 00m 23d	27枚 8,618,000円	類似品海外既提供 ※オーファン指定あり
	先天性巨大色素性母斑 ※	2016	08m 00d		
	栄養障害型/接合部型表皮水疱症 ※	2018	09m 08d		
ジャック®	膝関節の外傷性軟骨欠損症/離断性骨軟骨炎	2012	2y 11m 03d	1 治療あたり 2,165,000円	日本発
ハートシート®	虚血性心疾患による重症心不全	2015 条件及び期限付	10m 19d	(5枚) 15,030,000円	日本発
テムセルHS注	造血幹細胞移植後の急性 GvHD	2015	11m 23d	(16バッグ) 14,156,272円	海外既承認 オーファン指定あり
ステミラック注	脊髄損傷に伴う神経症候/機能障害	2018 条件及び期限付	05m 29d	1 回分 15,234,750円	日本発 医師主導治験 先駆け審査指定あり
キムリア®点滴静注	B細胞 急性リンパ芽球性白血病/ びまん性大細胞型B細胞リンパ腫	2019	11m 03d	1 治療 34,113,655円 (7/1より32,647,761円)	海外既承認 オーファン指定あり
コラテジェン® 筋注用 4mg	慢性動脈閉塞症における潰瘍	2019 条件及び期限付	1y 02m 04d	1 治療 (2回投与) 1,222,956円	日本発 先進医療B臨床研究
ゾルゲンスマ®点滴静注	脊髄性筋萎縮症	2020	1y 04m 18d	1 患者あたり 167,077,222円	海外既承認 オーファン指定あり 先駆け審査指定あり
ネピック®	角膜上皮幹細胞疲弊症	2020	11m 30d	1 患者あたり 9,750,000円	日本発 オーファン指定あり
イエスカルタ®点滴静注	大細胞型B細胞リンパ腫	2021	09m 23d	1 治療 32,647,761円	海外既承認 オーファン指定あり
ブレヤンジ®静注	大細胞型B細胞リンパ腫/濾胞性リンパ腫	2021	09m 00d	1 治療 32,647,761円	海外既承認 オーファン指定あり

研究開発推進の骨子



※各内容は企業からの意見収集を通じて科学的根拠の必要な事例を例示した。

企業へのヒアリングから（製品設計・開発に関する研究：縦串）

◆ 再生医療の実用化に向けた企業が求める最新の技術について

➤ 再生医療／細胞治療

- 3次元培養（新規メンブレン、スフィア等）
- 培養機材・移植担体にかかる材料、等
- 分化誘導法等・移植後の組織再生に寄与する研究

➤ 遺伝子治療

- 遺伝子治療用ベクター（ウイルス、プラスミド）
- 遺伝子伝送技術※の改良

※：ウイルスベクター、LNP等脂質粒子、エレクトロポレーション法等

➤ エクソソーム（Extracellular Vesicles）

- 導入技術（発現増強や調節のための配列設計、送達効率向上）
- 安全性評価（免疫原性／細胞毒性、生殖細胞への組み込み／造腫瘍性）

➤ ゲノム解析PJ（遺伝子変異の同定、各疾患の遺伝子パネル検査）

企業へのヒアリングから（産業化に資する基盤構築：横串）

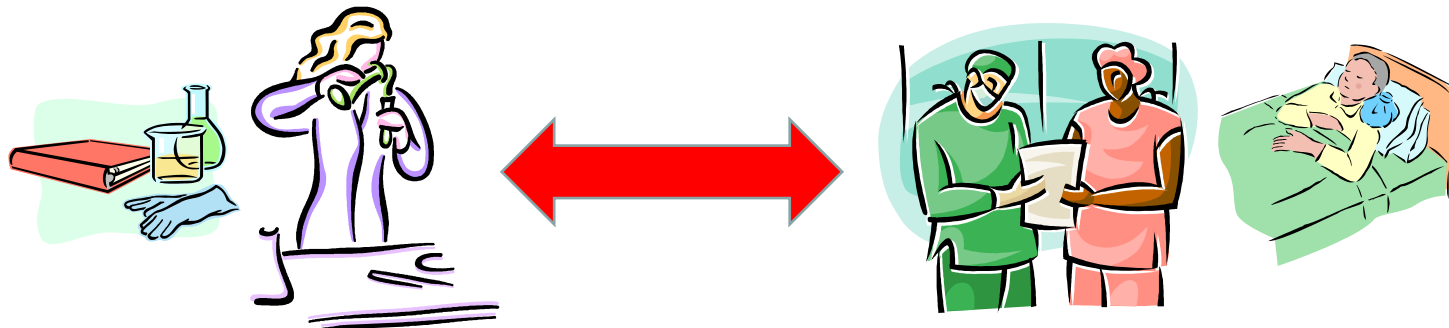
◆ 製品設計を確定するためにも、それぞれのプロセスの科学的構築ならびにレギュラトリーサイエンスの基盤が必要である。

- 産業利用に関するヒト組織の取り扱い
 - 倫理的課題整理
 - ヒト細胞・組織の保存安定技術
- 細胞・製品の特性解析
 - 特性解析のためのバイオロジー／オミックス解析の進展
- 品質特性解析/品質試験
 - 新しいモダリティーに応じた現存しない試験法の確立
（有効性評価手法、製品力価と相関する生物活性試験）
 - 現有の各種試験法の至適化、高精度、高感度化
（核型解析、in vivo試験、マイコプラズマ試験）
- 生産適性の構築と生産コスト削減のための科学・技術
 - 大量生産、スケールアウト型生産、QbDに供するサイエンス
- 再生医療・細胞治療・遺伝子治療の臨床開発に向けて
 - RCTを代替する有効性・安全性の評価科学・データサイエンス

連携もたらす新たなテーマ創出

◆ 臨床現場と開発現場の橋渡し

トランスレーショナルリサーチとリバーストランスレーショナルリサーチ



- ・ 臨床情報から新たな治療技術・モダリティーの創出
- ・ 生産情報から新たなバイオロジーの創出

◆ 個別化医療の実現にむけて

リアルワールドデータ等の利活用に向けた情報関連サイエンス連携

- ・ 各種データベース構築、情報解析技術等の創出
- ・ レギュラトリーサイエンスの基盤構築

◆ 再生医療・細胞治療・遺伝子治療の知財戦略

オープン・クローズ戦略

- ・ モダリティーベースの知財からプロセスベースの知財への転換
- ・ 非競争領域の知財創出および標準化戦略との連携

人材育成

◆ 再生医療の産業化に向けて必要な人材育成

- 細胞培養等の技術を有する技術者
⇒実製造並びに製造管理に携わるためのGMP/GCTPの知識のみならず、
レギュラトリーサイエンスやGMP/GCTPを理解し、応用問題に対応できる
柔軟な発想が必要
- バイオインフォマティシャン、ゲノム情報処理技術者、生物統計家
- 医療従事者とサイエンスで議論ができる（コミュニケーションが取れる）人材
⇒特に外科処置を伴う製品では、医療技術・手術手技に対する理解も必要
- Society 5.0のヘルスケアにむけた個別化医療の推進の担い手
- 起業家人材
⇒アントレプレナーシップ教育の必要性

まとめ

- **再生医療・細胞治療・遺伝子治療は既存の治療概念を変える可能性がある。**
 - 難病治療から身近な治療へ（産業化を通じた実現）
 - 関連規制やビジネスモデル構築に必要なバイオサイエンス創出
- **早期から企業-アカデミア連携を推進し、出口戦略を見据えた対応が重要である。**
 - 初期段階での製品設計における企業の関与
 - 生産体制・品質試験の構築を含む品質管理体制
 - データの安定性、信頼性確保
- **従来のモダリティーベースの科学に加え、開発・提供プロセスベースの科学の必要性が増大している。**
 - 非臨床試験に必要なサイエンス・バイオロジー
 - 高度品質管理手法の実現
 - 大量生産、小スケール生産の確立ならびに低コスト化の実現
- **医療－企業連携による新たな研究価値の創出が今後必要となる。**
 - 製品の水平展開（適応拡大）による新規価値創出
 - リバーストランスレーショナルリサーチを通じた新たな研究テーマ創出
 - 医療技術・治療技術の高度化への寄与
- **新たなヘルスケア領域の構築と事業戦略の策定が今後の課題である。**
 - 個別化医療実現に向けた情報技術との連携
 - プロセスベースおよびオープン・クローズを意識した知財戦略